

Dzieci chore na hemofilię wciąż bez długo działającego czynnika krzepnięcia

– Rekomendacje zalecają stosowanie czynników krzepnięcia o przedłużonym działaniu. Polska jest jedynym krajem w Unii Europejskiej, gdzie dzieci z hemofilią nie mają dostępu do tych leków. Od 15 lat resort nie rozstrzygnął przetargu – mówi Ewelina Matuszak, prezes Fundacji Chorych na Wrodzone Skazy Krwotoczne.

Jak wygląda leczenie profilaktyczne dzieci z hemofilią z perspektywy rodziców?

Program lekowy B.15 zakłada, że każde dziecko z ciężką hemofilią od urodzenia jest objęte leczeniem profilaktycznym. W zależności od przebiegu choroby terapia zostaje włączona mniej więcej w 3.–8. miesiącu życia i trwa do 18. roku życia. Dzieci mogą być leczone rekombinowanym koncentratem czynnika krzepnięcia długo działającym bądź krótko działającym. W rzeczywistości lekarze mają do dyspozycji wyłącznie czynniki krótko działające. Od 15 lat nie udało się kupić preparatu o przedłużonym okresie półtrwania z powodu złożonej procedury przetargowej. Dla dorosłych chorych na hemofilię, gdzie przetargi są inne niż w przypadku dzieci, czynniki o przedłużonym czasie półtrwania zostały kupione, natomiast u dzieci lekarze nadal nie mają możliwości stosowania tego leku.

Dzieci zwykle mają szybki metabolizm, więc czynnik szybko wypłukuje się z organizmu. Dlatego w niektórych przypadkach czynnik krzepnięcia, aby zabezpieczyć dziecko, musi być podawany codziennie. Proszę sobie wyobrazić, jakie to utrudnienie dla rodziców, którzy muszą każdego dnia podawać lek dożylnie. Rodzice często nie są w stanie podawać leku samodzielnie, ponieważ dzieci mają małe żyłki, które pękają. Z SOR i POZ niejednokrotnie są odsyłani, ponieważ lekarze i pielęgniarki również nie mogą podać leku tak małemu dziecku.

Czy wyjściem z tej sytuacji jest założenie portu?

Porty zakłada się dzieciom na zasadzie „bo nie ma innego wyjścia”. To operacja przy pełnej sedacji, kiedy dodatkowo podaje się duże ilości czynnika, co grozi powstaniem inhibitora. Przy korzystaniu z portu musi być zachowana sterylnosc jak przy operacji, co trudno uzyskać w warunkach domowych. Kiedy u dziecka pojawi się temperatura powyżej 37°C, rodzic wpada w panikę, ponieważ może to świadczyć o zakażeniu portu. W tej sytuacji należy jechać na SOR, żeby potwierdzić lub wykluczyć zakażenie

i ryzyko sepsy. W okresie infekcji rodzice co chwila lądują na SOR. Zdarza się, że porty się urywają, wtedy potrzebna jest operacja ratująca życie. Pamiętam sytuację, kiedy port znalazł się tuż przy zastawce serca dziecka.

Resort zdrowia argumentuje, że mimo wszystko polskie dzieci z hemofilią są skutecznie leczone.

Rodzice wciąż słyszą, że przecież ich dzieci mają dostęp do skutecznego leczenia. Oczywiście, nowe leki diametralnie zmieniają życie dzieci i całych rodzin. Dzięki tej terapii najmłodszy mogą uniknąć niepełnosprawności, mają szansę na normalne życie, co jeszcze kilkanaście lat temu było niemożliwe do uzyskania. To nie zmienia jednak faktu, że podaż czynnika jest dla polskich pacjentów bardzo trudna. Wszystko zamyka się w zaciszu domowym, nikt nie widzi, z jak dużym problemem zmagają się rodzice.

Medycyna wciąż się rozwija, więc chciałabym, żeby resort zdrowia spojrział w przyszłość, a nie zatrzymywał się w miejscu. Mamy czynniki o przedłużonym działaniu, które są wpisane w program lekowy. Zaczniemy z tego korzystać. Te leki mogą wyeliminować jedno, dwa podania w tygodniu. W skali roku to robi różnicę. Dla rodzica każdy dzień bez zastrzyku jest zbawienny. Nikt nie lubi być kłuty, więc trudno sobie wyobrazić, jak wygląda dzieciństwo chorych na hemofilię.

Jakie są europejskie standardy postępowania?

Zachłysłaliśmy się tym, że czynnik jest dostępny, i przespaliśmy pewien etap w leczeniu hemofilii. Aktualne rekomendacje medyczne zalecają stosowanie czynników o przedłużonym działaniu. Polska jest jedynym krajem Unii Europejskiej, gdzie ten rodzaj leków dla dzieci nie jest dostępny. Jak dowodzą badania naukowe, preparaty te niemal całkowicie zapobiegają krwawieniom w leczeniu profilaktycznym hemofilii zarówno A, jak i B. Dzięki zastosowaniu tej grupy leków można uzyskać wyższe stężenie czynnika we krwi i tym samym lepiej zabezpieczyć stawy.



Fot. Archiwum prywatne

Jakich rozwiązań systemowych oczekują rodzice?

Oczekujemy ujednolicenia postępowania przetargowego na zabezpieczenie krwawień u dzieci. Wydaje nam się, że największym problemem w dotychczasowych postępowaniach był kompletnie różny cel dwóch płatników, czyli Narodowego Centrum Krwi (NCK) i Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ). Dla NFZ celem był koszt miesięcznej profilaktyki czynnikami krzepnięcia, natomiast dla NCK istotnym kryterium była cena za IU. Na ten konflikt interesów, a w rezultacie na wybór nie zawsze najkorzystniejszej oferty, zwróciła uwagę w swojej opinii również Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. Dokonano niewielkiej korekty, ale nie zmieniło to sytuacji, jeśli chodzi o zakup czynników długo działających, które nadal nie są dostępne dla dzieci.

Zwróciście się do Ministerstwa Zdrowia o zmiany w programie lekowym B.15. Jaka jest odpowiedź?

Konsultant krajowy w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej prof. Jan Styczyński, wychodząc naprzeciw oczekiwaniom pacjentów i środowiska medycznego, złożył propozycję zmian w programie lekowym B.15. Dotyczy ona uwzględnienia czynników o przedłużonym okresie półtrwania jako celowanej terapii u chorych, dla których to leczenie jest optymalne. Uważamy, że wszystkie nowo narodzone dzieci z hemofilią A i B, dzieci z trudnym dostępem naczyniowym, na przykład te, które teraz mają założone porty, a także dzieci, które muszą stosować czynnik konwencjonalny co drugi dzień, powinny otrzymać lek o przedłużonym okresie półtrwania. Te propozycje zostały w maju złożone na ręce ministra zdrowia. Wiemy, że ministerstwo weryfikuje kryteria przetargu. Mamy nadzieję, że niebawem będziemy mogli cieszyć się tym, że przetargi będą rozszerzone na czynniki o przedłużonym działaniu.

Rozmawiała Monika Stelmach



Zachłysłaliśmy się tym, że czynnik jest dostępny, i przespaliśmy pewien etap w leczeniu hemofilii.

Aktualne rekomendacje zalecają stosowanie czynników o przedłużonym działaniu. Polska jest jedynym krajem Unii Europejskiej, gdzie ten rodzaj leków dla dzieci nie jest dostępny

W przypadku preparatu o krótkim działaniu na początku poziom leku w organizmie jest wysoki, po czym sukcesywnie spada. W ostatnich godzinach, kiedy jest już bliski zera, rośnie ryzyko wylewów, a przy hemofilii ciężkiej krwawienia często są samoistne. Wtedy trzeba podawać jeszcze więcej czynnika. Leki podskórne w Polsce są dostępne tylko dla pacjentów, którzy mają wytworzony inhibitor, czyli można je stosować, jeżeli dziecko bądź dorosły uczulą się na czynnik krzepnięcia.